



## Odiparcil

Nuova terapia sperimentale di eliminazione dei GAG per mucopolisaccaridosi di tipo I, II, IVA, VI e VII

L'Odiparcil è una molecola piccola che Inventiva Pharma ha in fase di sviluppo clinico. L'Odiparcil è in grado di formare un legame con due tipi di glicosaminoglicani (GAGs) che si accumulano nelle cellule dei pazienti con MPS. Il legame con l'Odiparcil fa sì che i GAGs diventino più solubili e possano essere trasportati fuori dalla cellula ed eliminati con l'urina.

Dal momento che è l'accumulo dei GAGs a causare i sintomi clinici nei pazienti con MPS, Inventiva ritiene che eliminando il contenuto GAG, l'Odiparcil può aiutare a ridurre la gravità di molti casi clinici. Grazie a studi preclinici su animali, Inventiva ha dimostrato ad esempio come l'Odiparcil sia in grado di ridurre lo spessore della cartilagine del ginocchio nei topi con MPS, aumentando così la loro mobilità. Lo stesso effetto è stato osservato nella trachea. L'Odiparcil ha inoltre riportato la struttura della cornea al suo stato normale nei topi con MPS VI.

I GAGs che possono essere eliminati sono il dermatan solfato (DS) e il condroitin solfato (CS), e in quantità molto minori anche l'eparan solfato (HS). Inventiva ritiene che tutte le patologie MPS aventi a che fare con i GAGs possano trarre beneficio dalla terapia con Odiparcil.

L'Odiparcil è una molecola piccola e in quanto tale ha una buona distribuzione nel corpo, compresi gli organi che la terapia di sostituzione enzimatica (ERT) non raggiunge, come ad esempio l'occhio e la cartilagine menzionati anteriormente. Tuttavia, l'Odiparcil non è in grado di oltrepassare la barriera emato-encefalica (BEE) e non è quindi previsto che funzioni sul cervello. Grazie alle sue dimensioni ridotte, l'Odiparcil può essere assunto oralmente.

Nonostante l'Odiparcil sia una terapia sperimentale per l'MPS, la molecola è già stata somministrata a molti volontari sani e pazienti di studi clinici precedenti per altre patologie, e ha ottenuto un buon livello di tolleranza.

Il primo tipo di MPS per il quale verrà sviluppato Odiparcil sarà il MPS VI. Attualmente si sta realizzando uno studio di fase IIa nei pazienti adulti con MPS VI nei centri di ricerca clinica europei, ma la partecipazione è aperta ai pazienti di tutto il mondo. Il viaggio sarà organizzato da MPS Commercial, il ramo commerciale di MPS Society (UK) che si prenderà cura dei pazienti partecipanti. Possono partecipare sia i pazienti che effettuano l'ERT, sia quelli che non la effettuano. Per ulteriori informazioni sullo studio clinico potete visitare il sito <http://www.improves-mpsvi-trial.com> o contattarci all'indirizzo [IMProveS@inventivapharma.com](mailto:IMProveS@inventivapharma.com).

Il passo successivo per Inventiva è uno studio clinico di fase Ib per bambini di età pari o superiore ai 5 anni con MPS VI trattati con l'ERT. Anche in questo caso, lo studio clinico verrà effettuato a livello europeo ma potranno partecipare pazienti provenienti da ogni parte del mondo. Lo studio non è ancora disponibile, ma per qualsiasi informazione riguardante il suo progresso potete mandare un'e-mail a [SAFE-KIDDS@inventivapharma.com](mailto:SAFE-KIDDS@inventivapharma.com).

Prima di poter includere pazienti con altre patologie MPS, è necessario che Inventiva raccolga dati clinici sui pazienti con MPS VI. Tuttavia, i pazienti con MPS I, II, IVA, VI o VII potranno contattarci ad ognuno degli indirizzi e-mail menzionati sopra per qualsiasi altra domanda o per ottenere maggiori informazioni riguardo a studi clinici futuri.